

## **Généthon salue l'autorisation aux Etats-Unis de la première thérapie génique pour une maladie neuromusculaire et rappelle le rôle déterminant joué par ses équipes dans cette avancée historique**

Le 24 mai, la FDA américaine a donné son autorisation de mise sur le marché du Zolgensma®, un médicament de thérapie génique pour le traitement de l'amyotrophie spinale infantile développé par la société Avexis (Novartis).

**Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, a joué un rôle déterminant dans la mise au point du produit et de la voie d'administration de cette première thérapie génique pour une maladie neuromusculaire**, grâce aux travaux pionniers réalisés par Martine Barkats et son équipe. La chercheuse française avait, en effet, démontré qu'un vecteur recombinant AAV9 était capable de franchir la barrière hémato-encéphalique et donc d'atteindre les motoneurons, dont le dysfonctionnement est responsable de l'amyotrophie spinale, puis qu'un tel vecteur portant le gène *smn1* prolongeait la durée de vie de souris modèles d'amyotrophie spinale. Ces découvertes avaient fait l'objet de brevets déposés dès 2007 et d'articles scientifiques publiés en 2009 dans *Molecular Therapy*, et en 2011 dans *Human Gene Therapy*. En 2018, Généthon avait octroyé à AveXis une licence d'utilisation, aux États-Unis, en Europe et au Japon, des brevets liés au produit AAV9-SMN ainsi que son administration in vivo dans le système nerveux central, par voie intrathécale ou intraveineuse.

Après avoir joué un rôle pionnier dans le décryptage du génome humain (1ères cartes du publiées entre 1992 et 1996), **Généthon confirme, une nouvelle fois, son rôle incontournable dans la recherche et le développement des traitements de thérapie génique pour les maladies rares dans le monde**. Huit candidats-médicaments, issus de la recherche de Généthon ou développés en collaboration avec des partenaires, sont aujourd'hui en phase d'essai clinique, en Europe et aux États-Unis, pour la myopathie myotubulaire, des déficits immunitaires, des maladies du sang ou de la vision...

*« L'arrivée de cette première thérapie génique pour l'amyotrophie spinale infantile représente une avancée majeure pour les malades et leurs familles. Nous sommes très heureux et fiers d'avoir apporté une contribution scientifique déterminante pour la mise au point de ce traitement, grâce à l'engagement déterminé de l'AFM-Téléthon, des donateurs et de nos chercheurs. Il démontre également la qualité des travaux réalisés par Généthon, depuis la recherche fondamentale jusqu'au développement de technologies innovantes, et l'excellence de notre recherche translationnelle, portée par l'objectif de traiter les patients atteints de maladies rares »* souligne Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.

### **Contacts presse:**

Stéphanie Bardon : 06 79 34 15 68